



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/2113/2022
EMA/H/C/004869

Oxbryta (*voxelotor*)

Pregled zdravila Oxbryta in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Oxbryta in za kaj se uporablja?

Oxbryta je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje hemolitične anemije (prekomerne razgradnje rdečih krvnih celic) pri bolnikih, starih 12 let in več, ki imajo srpastocelično anemijo. Zdravilo Oxbryta se lahko daje samostojno ali skupaj z drugim zdravilom za zdravljenje srpastocelične anemije, imenovanim hidrosikarbamid.

Srpastocelična anemija je genska bolezen, pri kateri posamezniki tvorijo nenormalno obliko hemoglobina (beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik). Rdeče krvne celice postanejo toge in lepljive ter spremenijo obliko iz okroglo-ploščate v srpasto (podobno srpu). Srpastocelična anemija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Oxbryta 18. novembra 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Zdravilo Oxbryta vsebuje učinkovino vokselotor.

Kako se zdravilo Oxbryta uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Oxbryta je le na recept, zdravljenje pa mora uvesti zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem srpastocelične anemije.

Zdravilo je na voljo v obliki tablet, ki se jemljejo peroralno, običajni priporočeni odmerki pa je 1 500 mg enkrat na dan.

Za več informacij glede uporabe zdravila Oxbryta glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Oxbryta deluje?

Pri srpastocelični anemiji pride do srpaste oblike rdečih krvničk, ko nenormalni hemoglobin sprosti kisik in se nato zleplja v toge verige, zaradi katerih celice spremenijo obliko in hitreje razpadejo. Poleg možne zapore krvnih žil to privede tudi do zmanjšanja števila rdečih krvnih celic in zmanjšanja delujočega hemoglobina, ki lahko prenaša kisik po telesu. Učinkovina v zdravilu Oxbryta, vokselotor, deluje tako, da izboljša sposobnost hemoglobina za zadrževanje kisika in preprečuje, da bi tvoril

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



verige. To pomaga rdečim krvnim celicam, da ohranijo normalno obliko in prožnost, zmanjša se prekomerna razgradnja in podaljša njihova življenjska doba.

Kakšne koristi zdravila Oxbryta so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, ki je vključevala 247 bolnikov s srpastocelično anemijo, starih od 12 do 64 let, so dokazali, da zdravilo Oxbryta izboljša hemolitično anemijo. Bolniki so prejeli zdravilo Oxbryta ali placebo (zdravilo brez učinkovine) in nadaljevali zdravljenje s hidrosikarbamidom, če so ga že prejeli. Na začetku zdravljenja je bila povprečna raven hemoglobina 8,5 g na dl krvi. Po 24 tednih zdravljenja se je raven hemoglobina izboljšala za vsaj 1 g na dl pri približno 51 % (46 od 90) bolnikov, ki so prejeli zdravilo Oxbryta v odmerku 1 500 mg na dan, v primerjavi s 6,5 % (6 od 92) bolnikov, ki so prejeli placebo. Druge meritve so pokazale tudi zmanjšanje razgradnje rdečih krvnih celic pri uporabi zdravila Oxbryta.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Oxbryta?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Oxbryta (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so glavobol, driska in bolečine v trebuhu. Najresnejši neželeni učinki, ki se pojavijo pri približno 1 od 100 oseb, vključujejo glavobol in preobčutljivostne (alergijske) reakcije.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Oxbryta glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je zdravilo Oxbryta odobreno v EU?

Trenutne sheme zdravljenja srpastocelične anemije že vključujejo zdravila za preprečevanje bolečinskih kriz, ki nastanejo, ko srpastocelične celice blokirajo oskrbo vitalnih organov s krvjo. Obstaja pa neizpolnjena potreba po zdravilih za zdravljenje anemije, povezane s to boleznijo, ki povzroča utrujenost in kronične bolečine ter prispeva k drugim zapletom. Zdravilo Oxbryta dokazano izboljša anemijo s povečanjem ravni hemoglobina in zmanjšanjem razgradnje rdečih krvnih celic. Ni še jasno, v kolikšni meri to dolgoročno izboljša klinične simptome in kakovost življenja, saj lahko delovanje zdravila zmanjša tudi sposobnost hemoglobina za sproščanje kisika v tkiva telesa. Ker pa so neželeni učinki omejeni in obvladljivi, je Evropska agencija za zdravila zaključila, da so koristi zdravila Oxbryta večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Oxbryta ?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Oxbryta upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Oxbryta stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Oxbryta, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Oxbryta

Nadaljnje informacije za zdravilo Oxbryta so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.